



# Trombocitopenia inmune primaria

## ¿Qué es la trombocitopenia inmune primaria?

La trombocitopenia inmune primaria (PTI) es una enfermedad autoinmune rara que se caracteriza por un incremento de la destrucción y una disfunción de la producción de células sanguíneas denominadas plaquetas<sup>1</sup>. Las plaquetas permiten que la sangre se coagule adecuadamente y mantiene intactos los vasos sanguíneos<sup>2</sup>. Si los niveles de plaquetas son muy bajos, puede provocar hemorragias internas y hematomas graves<sup>1</sup>.

La PTI se identifica mediante un diagnóstico de exclusión, ya que los médicos deben descartar otras enfermedades que puedan provocar el bajo recuento de plaquetas<sup>2</sup>. Una vez se diagnostica, los pacientes pueden encontrarse en una de las tres fases, cada una con una posible duración: aguda (0-3 meses), persistente (3-12 meses) o crónica (12 meses o más)<sup>3</sup>.

## ¿Cuántas personas padecen PTI?

La PTI afecta aproximadamente a 1 de cada 50.000 adultos cada año y es un poco más común en las mujeres adultas<sup>2,4</sup>.

## ¿Cuáles son los signos y síntomas de la PTI?

Las personas con PTI experimentan a veces uno o más de los siguientes síntomas<sup>2</sup>:

- Hematomas inesperados
- Puntitos rojizos o purpúreos en la piel (petequias)
- Sangrado fácilmente de encías, nariz y cortes
- Sangrados difíciles de detener
- Sangre en las heces o la orina
- Un flujo menstrual más elevado de lo habitual (mujeres)

La posibilidad de reducción del recuento de plaquetas podría causar un sufrimiento emocional. Otros problemas vinculados con la PTI son el cansancio, limitación en la capacidad para trabajar, reducción de la lívido e incomodidad ante los síntomas visibles de la enfermedad<sup>5</sup>.

## ¿Cuál es el objetivo del tratamiento de la PTI?

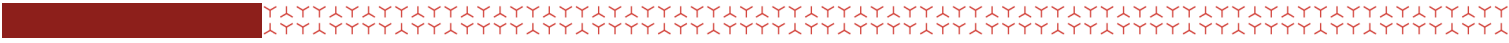
El objetivo principal del tratamiento es aumentar el recuento de plaquetas y situarlo en un nivel saludable y seguro<sup>1</sup>. Si es necesario un tratamiento para la PTI, debería adaptarse a cada paciente en particular. Los pacientes deberían consultar a su médico los riesgos y beneficios asociados con cada opción de tratamiento.

Seleccionar el tratamiento adecuado y tomar el medicamento según la prescripción, ayudará al paciente a controlar su PTI crónica y a mantener unos niveles de plaquetas sanos. Los pacientes deberían trabajar estrechamente con sus médicos para determinar su recuento de plaquetas ideal.

En caso de un recuento de plaquetas extremadamente bajo, puede ser necesario que los pacientes ingresen en un hospital para recibir transfusiones de plaquetas para evitar las hemorragias y para estabilizar los niveles de plaquetas<sup>6</sup>.

## Referencias

1. Saleh, Mansoor N., et al. "Safety and efficacy of eltrombopag for treatment of chronic immune thrombocytopenia: results of the long-term, open-label EXTEND study." *Blood* 121.3 (2013): 537-545.

- 
2. "Immune Thrombocytopenia." U.S. National Institutes of Health website. U.S. National Institutes of Health. Web. 2 August 2016.
  3. Imbach, Paul. "Guide to Understanding ITP (Immune thrombocytopenia)." ITP Foundation and ICIS Basel Switzerland. 2011. PDF file.
  4. Fogarty, Patrick F., and Jodi B. Segal. "The epidemiology of immune thrombocytopenic purpura." *Current opinion in hematology* 14.5 (2007): 515-519.
  5. Mathias, Susan D., et al. "Impact of chronic Immune Thrombocytopenic Purpura (ITP) on health-related quality of life: a conceptual model starting with the patient perspective." *Health and quality of life outcomes* 6.1 (2008): 1.
  6. Kistanguri, Gaurav, and Keith R. McCrae. "Immune Thrombocytopenia." *Hematology/oncology clinics of North America* 27.3 (2013): 495–520.



Novartis Pharma AG  
CH-4002 Basilea Suiza

© 2018 Novartis

3/18

G-REV-1185224

## Acerca de Revolade® (eltrombopag)

Revolade® (eltrombopag) (comercializado en Estados Unidos como Promacta) se ha aprobado en más de 100 países de todo el mundo para tratar la trombocitopenia inmune primaria (PTI) (idiopática) crónica en pacientes con una respuesta inadecuada o intolerantes a otros tratamientos; en EE. UU. y Europa se ha aprobado en pacientes a partir de un año. Revolade® también se ha aprobado en más de 45 países para tratar a pacientes con aplasia medular grave (AMG) refractarios a otros tratamientos, y en más de 50 países para el tratamiento de la trombocitopenia en pacientes con hepatitis C crónica para que puedan iniciar y/o mantener una terapia basada en interferón<sup>1</sup>.

### ¿Cómo funciona Revolade®?

Revolade® es el único agonista del receptor de la trombopoyetina (R-TPO) oral de administración diaria que funciona sin competir con la TPO. La trombopoyetina es una hormona que estimula la producción de plaquetas uniéndose a determinados objetivos en la médula ósea. Al unirse y estimular los mismos receptores que la trombopoyetina, Revolade® aumenta la producción de plaquetas<sup>2</sup>.

### Indicaciones clave

#### Trombocitopenia inmune primaria (PTI)

La trombocitopenia inmune primaria crónica (PTI) es un trastorno hematológico raro y potencialmente grave en el que la sangre no se coagula adecuadamente a causa de un bajo número de plaquetas. Como resultado, los pacientes experimentan hematomas, sangrado y, en algunos casos, hemorragias amenazantes para la vida. La PTI se puede clasificar como aguda (0-3 meses desde el diagnóstico), persistente (3-12 meses desde el diagnóstico) y crónica (+12 meses desde el diagnóstico)<sup>3</sup>.

La PTI también puede afectar a la calidad de vida de los pacientes, ya que suele ir asociada a cansancio y empeoramiento de calidad de vida, así como miedo a sufrir hemorragias que puede limitar las actividades diarias<sup>3</sup>.

Se cree que en la mayoría de los casos la PTI se debe a una respuesta autoinmune, aunque aún se desconoce la causa de que el sistema inmune ataque y destruya las plaquetas del cuerpo<sup>3</sup>. La PTI se diagnostica excluyendo la posibilidad de otros trastornos hematológicos. Tras el diagnóstico, el objetivo del tratamiento es incrementar los niveles plaquetarios del paciente a  $\geq 50.000$  por microlitro ( $\geq 50 \times 10^9/L$ )<sup>4</sup>.

#### Aplasia medular grave (AMG)

La aplasia medular grave (AMG) es un trastorno hematológico raro en el que la médula ósea del paciente no es capaz de producir suficientes glóbulos rojos, glóbulos blancos y plaquetas<sup>4</sup>. La AMG se le diagnostica a dos de cada millón de personas en Europa y Norteamérica cada año<sup>6,7</sup>.

Aún se desconoce el origen exacto de la enfermedad, aunque se cree que la mayoría de los casos de AMG se deben a una reacción autoinmune en la que el organismo ataca a las células madre productoras de sangre que se hallan en la médula ósea<sup>5,8</sup>. Como resultado, los pacientes con AMG están en riesgo de sufrir infecciones o hemorragias potencialmente mortales<sup>8</sup>.

El tratamiento de la AMG se centra en aumentar el recuento de plaquetas y glóbulos rojos y blancos del paciente. El tratamiento estándar incluye la terapia inmunosupresora (TIS) o el trasplante de progenitores hematopoyético. Sin embargo, entre una cuarta y una tercera parte de los pacientes no responden a la TIS y entre un 30-40% de los que responden recaerán, provocando la reaparición de los síntomas<sup>8</sup>. Alrededor del 40% de los pacientes con AMG que no responden a la terapia inmunosupresora inicial mueren por infección o hemorragia en

los cinco años posteriores al diagnóstico<sup>9</sup>.

## **Información de seguridad importante sobre Revolade<sup>®</sup>**

Revolade<sup>®</sup> puede provocar efectos secundarios graves, como problemas hepáticos, recuento elevado de plaquetas, más posibilidades de sufrir trombosis (coágulos en la sangre), hemorragias tras suspender el tratamiento y problemas en la médula ósea.

Revolade<sup>®</sup> puede dañar el hígado y provocar enfermedades graves e incluso potencialmente mortales. Es necesario realizar análisis de sangre para comprobar la función del hígado antes de tomar Revolade<sup>®</sup> y durante el tratamiento. Si el paciente se somete a ciertos tratamientos antivirales junto con Revolade<sup>®</sup> para tratar la trombocitopenia por infecciones del virus de la hepatitis C (VHC), algunos problemas hepáticos podrían empeorar.

El médico solicitará los análisis de sangre y cualquier otra prueba necesaria. En ciertos casos, habrá que suspender el tratamiento con Revolade<sup>®</sup>. Los pacientes deben informar inmediatamente a su médico si padecen alguno de estos signos o síntomas de problemas hepáticos: piel o conjuntiva (blanco de los ojos) amarillentos (ictericia), orina más oscura de lo habitual, cansancio inusual o dolor en la zona superior derecha del estómago.

Los pacientes tienen más probabilidad de desarrollar trombosis si su recuento de plaquetas es demasiado elevado durante el tratamiento con Revolade<sup>®</sup>, aunque también puede producirse trombosis con recuentos de plaquetas normales o incluso bajos. Los pacientes con cirrosis hepática tienen riesgo de padecer trombosis en los vasos sanguíneos que van al hígado. Los pacientes pueden padecer complicaciones graves debido a cierto tipo de coágulos, como aquellos que van a los pulmones o que causan ataque al corazón o ictus. El médico comprobará el recuento de plaquetas del paciente y modificará la dosis o suspenderá Revolade<sup>®</sup> si el recuento de plaquetas es demasiado alto. Los pacientes deben informar inmediatamente a su médico si tienen signos y síntomas de coágulos en las piernas, como inflamación, dolor o alteración de la sensibilidad en una pierna.

Si los pacientes con PTI crónica dejan de tomar Revolade<sup>®</sup>, el recuento de plaquetas disminuirá hasta la cifra de plaquetas que el paciente presentaba justo antes de tomarlo. Dichos efectos suelen producirse en las 4 semanas siguientes a la interrupción. La disminución del recuento de plaquetas puede incrementar el riesgo de sangrado. El médico comprobará el recuento de plaquetas al menos durante las 4 semanas siguientes a la interrupción. Los pacientes deberán avisar a su médico o farmacéutico si padecen hematomas o sangrados tras dejar de tomar Revolade<sup>®</sup>.

Los pacientes tratados por esta enfermedad pueden tener problemas de médula ósea. Medicamentos como Revolade<sup>®</sup> pueden agravar estos problemas. Los signos que sugieren cambios en la médula ósea pueden mostrarse como resultados anómalos en un análisis de sangre. El médico también podrá realizar pruebas para examinar directamente la médula ósea durante el tratamiento con Revolade<sup>®</sup>.

Los efectos secundarios más comunes de Revolade<sup>®</sup> cuando se usa para tratar a pacientes adultos con PTI crónica son cefalea, anemia, pérdida de apetito, insomnio, tos, náuseas, diarrea, alopecia, pruritos, mialgia, pirexia, cansancio, síntomas gripales, astenia, escalofríos y edema periférico.

Los efectos secundarios más comunes de Revolade<sup>®</sup> cuando se usa para el tratamiento de pacientes pediátricos con PTI crónica son infección del tracto respiratorio superior, nasofaringitis, tos, diarrea, pirexia, rinitis, dolor abdominal, dolor orofaríngeo, dolor de muelas, sarpullidos, aumento de la AST y rinorrea.

Los efectos secundarios más comunes de Revolade<sup>®</sup> cuando se usa para el tratamiento de pacientes con VHC crónico y agentes antivirales son dolor de cabeza, anemia, pérdida del apetito, insomnio, tos, náuseas, diarrea, alopecia, pruritos, mialgia, pirexia, cansancio, síntomas gripales,

astenia, escalofríos y edema periférico.

Los efectos secundarios más comunes de Revolade®, cuando se usa para el tratamiento de pacientes con aplasia medular grave (AMG) son dolor de cabeza, mareo, insomnio, tos, disnea, dolor orofaríngeo, rinorrea, náuseas, diarrea, dolor abdominal, aumento de las transaminasas, equimosis, artralgia, espasmos musculares, dolor en extremidades, cansancio, neutropenia febril y pirexia. Algunos de los efectos secundarios comunes que se pueden manifestar en un análisis de sangre son aumento de ciertas enzimas hepáticas, mientras que los análisis de laboratorio pueden mostrar cambios anormales en las células de la médula ósea.

Consulte la ficha técnica completa de la UE para Revolade® (eltrombopag).

## Referencias

1. Revolade® Summary of Product Characteristics.
2. European Medicines Agency. EPAR summary for the public: Revolade (eltrombopag). Updated July 2017. Available at: [http://www.ema.europa.eu/docs/en\\_GB/document\\_library/EPAR\\_-\\_Summary\\_for\\_the\\_public/human/001110/WC500089965.pdf](http://www.ema.europa.eu/docs/en_GB/document_library/EPAR_-_Summary_for_the_public/human/001110/WC500089965.pdf). Accessed March 26, 2018.
3. National Heart, Lung and Blood Institute (2018). Immune Thrombocytopenia. Available at: <https://www.nhlbi.nih.gov/health/health-topics/topics/itp>. Accessed March 15, 2018.
4. Cheng, Gregory, et al. Eltrombopag for management of chronic immune thrombocytopenia (RAISE): a 6-month, randomised, phase 3 study. *The Lancet* 377.9763 (2011): 393-402.
5. National Heart, Lung and Blood Institute (2018). Aplastic Anemia. Available at: <https://www.nhlbi.nih.gov/node/80148>. Accessed March 15, 2018.
6. Young NS, Kaufman DW. The epidemiology of acquired aplastic anemia. *Haematologica*. 2008;93(4):489-492.
7. Montané E, Ibáñez L, Vidal X, et al. Epidemiology of aplastic anemia: a prospective multicenter study. *Haematologica*. 2008;93(4):518-523.
8. Townsley DM, Desmond R, Dunbar CE, et al. Pathophysiology and management of thrombocytopenia in bone marrow failure: possible clinical applications of TPO receptor agonists in aplastic anemia and myelodysplastic syndromes. *Int J Hematol*. 2013; 98(1):48-55.
9. Valdez JM, Scheinberg P, Nunez O, et al. Decreased infection-related mortality and improved survival in severe aplastic anemia in the past two decades. *Clin Infect Dis*. 2011; 52(6):726-735.

